



致力法規科學
守護生命健康

Regulatory Science, Service for Life

美國 FDA 於 2019 年 2 月發布「用於再生醫學進階療法的醫療器材評估」指引草案

發表單位：美國 FDA

摘要整理：吳冠勳

發表時間：2019/02/05

內容歸類：醫療器材

類別：指引草案

關鍵字：Devices, Regenerative
Medicine Advanced Therapies,
RMAT,

資料來源：[Evaluation of Devices Used with Regenerative Medicine Advanced Therapies](#)

- 重點內容：
1. 本指引為再生醫學治療開發者，提供 FDA 對於評估用於再生醫學進階治療醫療器材的當前想法。FDA 通常將再生醫學進階療法 (regenerative medicine advanced therapies) 稱為 RMAT。指引中將討論 FDA 評估與 RMAT 一起使用之醫療器材所需考慮的內容。
 2. 適用於再生醫學進階療法(RMAT)的復原(recovery)、隔離(isolation)或傳送(delivery)中使用的醫療器材。醫療器材的定義係根據美國聯邦食品藥物及化妝品法 (The Federal Food, Drug & Cosmetic Act, FD&C) 第 201(h)條中，定義：「所謂的醫療器材是指符合以下條件的儀器、裝置、工具、機具、器具、植入物、體外試劑或其他相關物品，包括組件、零件或附件等。」
 3. 根據 FD&C 法案 506(g)節，如果有適用於 RMAT 治療的藥品，須符合下列 3 種情況：
 - (1) 它是再生醫學療法時所需要的藥品(21. U.S.C.356(g)(8))。
 - (2) 它用於治療、修飾，逆轉或治癒嚴重或危及生命的疾病。
 - (3) 初步的臨床證據顯示，該藥品有潛能解決此類疾病；或病症尚未滿足的醫療需求。
 4. 根據聯邦法規 21 CFR 3.2(e)，複合性產品係指產品中包含 2 種或 2 種



致力法規科學
守護生命健康

Regulatory Science, Service for Life

以上不同屬性組成(藥品、醫療器材、生物藥品)的醫療產品，涵蓋以下 4 種：

- (1) 單一產品包括 2 種以上的列管屬性組件，例如藥品/醫療器材、生物藥品/醫療器材，或藥品/醫療器材/生物藥品等，其在物理、化學，或經由合併、混和及生產等使成為單一實體(single entity)。
 - (2) 兩種或以上屬性組成經共同包裝成單一包裝、或單位，其組成包括藥品/醫療器材，或生物藥品/醫療器材等。
 - (3) 藥品、醫療器材或生物藥品為分開個別包裝且尚未核准上市，但依據其臨床試驗計畫或仿單稿記載，僅能與已被核准的特定藥物(藥品、醫療器材或生物藥品)合併使用，以達到特定藥物被核准之預期用途、適應症或效果。在此情況下，當分開個別包裝的組成(藥品、醫療器材或生物藥品)取得核准上市的同時，該已經核准的特定藥物亦須進行仿單變更，以反映例如調整劑量、強度或使用途徑之變更。
 - (4) 試驗用藥物(藥品、醫療器材或生物藥品)為分開個別包裝，依據其仿單稿，僅能與另一項試驗用藥物(藥品、醫療器材或生物藥品)合併使用，以達其預期用途、適應症或效果。
5. FDA 認為有許多種醫療器材能和 RMAT 結合使用。舉例來說，可以是簡單的低風險裝置，像是用於復原細胞和組織的手動手術器械(例如，手術刀)。與 RMAT 一起使用的設備也可以是複雜、風險較高的醫療器材(例如，自動細胞收集系統)。另外，醫療器材也可以是複合性產品 RMAT 的組成部分。
6. FDA 認為立體支架醫療器材(device scaffolds)合併細胞產品，並不屬於本指引的範圍。
- (1) 申請評估的一般途徑：醫療器材分類和申請法規要求流線化
醫療器材的上市前途徑，因技術特性和預期用途而異。醫療器材的分類是決定其上市前路徑的主要因素。FD&C 513(a)(21 USC 360c(a))，說明了為合理保證其安全性和有效性的需要性，監管控制建立三種分級措施：第 I 等級【一般管制】，第 II 等級【一般管制+特殊管制】和第 III 等級【一般控制+上市前核准(premarket



台灣藥物法規
資訊網法規公告



台灣藥品
臨床試驗資訊



TFDA 藥物
食品安全週報



致力法規科學
守護生命健康

Regulatory Science, Service for Life

approval, PMA)】。

- (2) 最低阻礙的原則(Least Burdensome Principles) · 要求提供最少的資料：PMA 案必須證明「安全性和有效性的合理保證」；或可決定申請品醫療器材與已上市類似品(predicate device) · 有實質相等性(substantial equivalence)。
- (3) 現有上市前申請途徑包括：
 - A. 510(k)上市前通知(premarket notification)
 - B. 分類要求 De Novo classification request (De Novo)
 - C. 上市前核准(Premarket Approval, PMA)
 - D. 人道主義醫療器材豁免(Humanitarian Device Exemption, HDE)

當需要臨床證據來支持醫療器材的上市銷售權利時 · 可能需要申請臨床試驗用醫療器材豁免(Investigational Device Exemption, IDE) · 以允許此醫療器材可合法執行臨床試驗。

7. 複合性產品：在符合 FD&C Act 503(g)(1)(B)與 21st Century Cures Act Section 3034 之規定的情況下 · 醫療器材合併特定 RMAT 之單一實體複合性產品 · 通常在單一申請案中進行審查。擬與特定 RMAT 一起使用的醫療器材 · 將會被視為由生物藥品所主導的複合性產品 · 並在生物藥品評估和研究中心(Center for Biologics Evaluation and Research, CBER)的(Biologics License Application, BLA)案下進行審查評估 · 並適時由其他機構進行諮詢審查。